

## À L'OCCASION DE LA JOURNÉE MONDIALE DES MALADIES RARES 2022, THERANEXUS DÉVOILE SES AVANCÉES SCIENTIFIQUES

- *Nouvelle étape franchie par NeuroLead, la plateforme de criblage d'actifs*
  - *Nouvelles publications dans des revues scientifiques*
- *Démarrage de l'essai clinique de phase I-II dans la maladie de Batten*

**Lyon, le 28 février 2021** – A l'occasion de la Journée Mondiale des Maladies Rares 2022, Theranexus, société biopharmaceutique innovante dans le traitement des maladies neurologiques et pionnière dans le développement de candidats médicaments agissant sur l'interaction entre neurones et cellules gliales, revient sur ses derniers développements scientifiques avec de nouvelles avancées sur sa plateforme de criblage d'actifs, NeuroLead, dans les maladies rares neurologiques avec ses partenaires, le Collège de France et le Commissariat à l'Energie Atomique et aux Energies Alternatives (CEA), et de nouvelles publications académiques.

### **NeuroLead, la plateforme de génération de nouveaux candidats médicaments pour des traitements innovants dans des indications orphelines neurologiques**

Theranexus, société essaimée du CEA, qui coordonne le programme NeuroLead, en collaboration avec le Collège de France et le CEA, vient de finaliser la 1<sup>ère</sup> étape scientifique de la plateforme, reposant sur la mise en place et la validation de modèles d'interactions entre neurones et astrocytes et l'étude de leurs fonctions. Ces modèles serviront de bases à l'identification et la caractérisation de nouveaux candidats médicaments dans les indications orphelines neurologiques. Avec le franchissement de cette nouvelle étape, Theranexus a reçu de Bpifrance, via le Programme Investissement d'Avenir (PIA), le versement de 1,7 M€ en février 2021. A ceci, s'ajoute un financement de 800 K€ sous la forme d'un « Prêt Innovation R&D » de Bpifrance pour accélérer le développement de cette plateforme.

Pour rappel, en 2019, Theranexus et ses partenaires ont obtenu un financement total de 6,2 M€ dans le cadre du PIA. Sur les 4 M€ octroyés à Theranexus, la Société a perçu un total de 2,7 M€ à date.

« *Nous sommes très heureux d'avoir franchi avec succès cette première étape scientifique qui va nous permettre d'avancer sur l'identification et le développement de nouveaux candidats médicaments dans les maladies rares du système nerveux, pour développer, dans cette aire, notre portefeuille au-delà de notre actif BBDF101 dans la maladie de Batten. Nous nous réjouissons des nouvelles perspectives qui s'offrent à nous au travers de la plateforme NeuroLead* » explique **Mathieu Charvériat, Directeur général délégué et Directeur scientifique de Theranexus.**

« *Nous disposons, dorénavant, dans le cadre de la plateforme NeuroLead, de nouveaux modèles précliniques permettant de mieux cibler les interactions entre neurones et astrocytes, dans un contexte physiologique et nous travaillons maintenant sur les modèles de maladies rares* » poursuit le **Dr Nathalie Rouach du Centre de Recherche Interdisciplinaire en biologie, Collège de France.**

« *Nous travaillons sur des co-cultures de cellules souches humaines pluripotentes induites, différenciées en neurones et astrocytes, ce qui constitue un tissu humain idéal pour identifier de nouveaux médicaments dans les maladies orphelines neurologiques* » conclut le **Dr Anselme Perrier de l'Institut de biologie François Jacob, Molecular Imaging Reserch Center (MIRcen), CEA.**

## Trois nouvelles publications dans des revues scientifiques

En Janvier 2022, Theranexus, le Collège de France et le CEA ont publié un état des connaissances sur les interactions entre astrocytes et neurones dans les indications orphelines et leur modélisation à l'aide des cellules souches, dans la revue **International Journal of Molecular Sciences**, sous le titre « [Modeling and Targeting Neuroglial Interactions with Human Pluripotent Stem Cell Models](#) ».

En décembre 2021, Theranexus a publié un autre article intitulé « [Automated Assays to Identify Modulators of Transcription Factor EB Translocation and Autophagy](#) » dans le journal **ASSAY and Drug Development Technologies**, qui présente ses travaux sur l'identification de nouvelles molécules dans le traitement des maladies lysosomales, un groupe de 50 pathologies orphelines, qui touchent plus de 3 000 adultes et enfants en France.

Theranexus vient de présenter également ses nouveaux travaux en neuro-imagerie, et a montré, pour la première fois, l'application de l'imagerie ultrasonore fonctionnelle à la caractérisation de modèles pathologiques, ouvrant la voie à l'utilisation de tels modèles dans le cadre des maladies orphelines. L'article intitulé « [Impaired local and long-range brain connectivity and visual response in a genetic rat model of hyperactivity revealed by functional ultrasound](#) » a été publié dans **Frontiers in Neuroscience** en février 2022.

## Démarrage de l'essai clinique de phase I/II dans la maladie de Batten, une maladie génétique et dégénérative rare

Enfin, Theranexus et la Fondation BBDF ont initié, début février 2022, le recrutement de l'essai clinique de phase I/II évaluant BBDF-101 dans la maladie de Batten, une maladie génétique du système nerveux, rare et mortelle pour laquelle il n'existe aujourd'hui aucun traitement. Les premiers résultats de cette phase de titration seront disponibles au début du second semestre 2022 et Theranexus ambitionne, après consultation de la FDA, de démarrer une étude de phase III pivotale fin 2022.

### A propos de la plateforme NeuroLead

Début 2019, la plateforme NeuroLead a obtenu un financement de 6,2 M€ dans le cadre du Programme d'Investissements d'Avenir (PIA) opéré par Bpifrance (Projet de recherche et développement structurant pour la Compétitivité, PSPC) pour son développement. Le Programme NeuroLead, prévu sur 4 ans, est coordonné par Theranexus en collaboration avec le Collège de France et le CEA. Il vise à développer et à industrialiser, avec les dernières innovations en neurosciences et en intelligence artificielle, une plateforme unique d'identification et de caractérisation de candidats médicaments ciblant les interactions entre les deux populations cellulaires majoritaires du cerveau, les neurones et les cellules gliales dans le domaine des troubles neurologiques.

### A propos de Theranexus

Fondée en 2013, Theranexus est une société biopharmaceutique au stade clinique, issue du CEA qui développe des candidats-médicaments pour le traitement des maladies du système nerveux. Grâce à sa connaissance des interactions neuro-gliales, Theranexus est pionnière dans la conception et la combinaison de substances homologuées et dispose d'un portefeuille solide et diversifié d'actifs en phase clinique. Cette stratégie de combinaison de médicaments repositionnés reposant sur un solide cas commercial et disposant d'une réelle capacité à démontrer rapidement leur valeur clinique permet à la société de générer différents candidats médicaments propriétaires à forte valeur ajoutée, de réduire significativement le temps et les coûts de développement et d'augmenter considérablement les chances d'accès au marché pour ses médicaments. A cette fin, Theranexus est positionnée dans plusieurs indications, dont la maladie de Parkinson et la maladie de Batten, pour lesquelles aucun traitement n'est actuellement disponible sur le marché.

### A propos du Collège de France

Le Collège de France est un établissement public d'enseignement supérieur, institution unique en France, sans équivalent à l'étranger. Depuis le XVI<sup>e</sup> siècle, le Collège de France répond à une double vocation : être à la fois le lieu de la recherche la plus audacieuse et celui de son enseignement. Voué à la recherche fondamentale, le Collège de France possède cette caractéristique singulière : il enseigne « le savoir en train de se constituer dans tous les domaines des lettres, des sciences ou des arts », en partenariat avec le CNRS, l'INSERM et plusieurs autres grandes institutions. Le Centre de Recherche Interdisciplinaire en Biologie (CIRB) du Collège de France, partenaire spécifique du programme NeuroLead, occupe une place prépondérante en termes de thématique et une priorité de recherche sous la direction de Marie-Hélène Verlhac. L'équipe de Nathalie Rouach, impliquée dans NeuroLead est une autorité reconnue internationalement sur ces interactions cellulaires.

**A propos du CEA et de MIRCEM**

Le CEA est un acteur majeur de la recherche, au service de l'État, de l'économie et des citoyens. Il apporte des solutions concrètes à leurs besoins dans quatre domaines principaux : transition énergétique, transition numérique, technologies pour la médecine du futur, défense et sécurité. MIRCEM est un département de l'Institut de Biologie François Jacob du CEA dirigé par le Docteur Philippe Hantraye, impliqué dans le projet NeuroLead. Ce centre de recherches unique en Europe accueille des chercheurs de divers organismes, et développe dans un contexte optimal, scientifique, technologique et méthodologique des recherches translationnelles sur les maladies neurodégénératives et le développement de thérapies innovantes. L'objectif principal est d'optimiser le transfert de connaissances et de technologies de la recherche fondamentale en neurosciences vers les essais cliniques chez les patients souffrant d'atteintes neurodégénératives. MIRCEM coordonne également une infrastructure nationale en biologie santé (INBS), NeurATRIS associant de grands centres de recherche franciliens.

**Prochaine publication financière :**

**Lundi 25 avril 2022** : Résultats financiers annuels 2021 et Point sur la trésorerie au 31 mars 2022

More information on:

<http://www.theranexus.com>

Click and follow us on Twitter and LinkedIn

**Contacts****THERANEXUS**

**Thierry LAMBERT**

Directeur financier et administratif

[contact@theranexus.com](mailto:contact@theranexus.com)

**NEWCAP**

**Théo MARTIN/Pierre LAURENT**

Relations Investisseurs

+33 (0)1 44 71 94 97

[theranexus@newcap.eu](mailto:theranexus@newcap.eu)

**FP2COM**

**Florence PORTEJOIE**

Relations médias

+ 33 (0)6 07 76 82 83

[fportejoie@fp2com.fr](mailto:fportejoie@fp2com.fr)

**Avertissement**

Le présent communiqué contient des déclarations prospectives relatives Theranexus et à ses activités, y compris ses perspectives et le développement de ses produits. Theranexus estime que ces déclarations prospectives reposent sur des hypothèses raisonnables. Cependant, des déclarations prospectives ne constituent pas des garanties d'une performance future, étant donné qu'elles portent sur des événements futurs et dépendent de circonstances qui pourraient ou non se réaliser dans le futur, et de divers risques et incertitudes, dont ceux décrits dans le document d'enregistrement universel de la Société déposé auprès de l'AMF le 28 avril 2021 sous le numéro D. 21-0379, dont une copie est disponible sur le site internet de la Société ([www.theranexus.com](http://www.theranexus.com)), et de l'évolution de la conjoncture économique, des marchés financiers et des marchés sur lesquels Theranexus est présent. Les déclarations prospectives figurant dans le présent communiqué sont également soumises à des risques inconnus de Theranexus ou que Theranexus ne considère pas comme significatifs à cette date. La réalisation de tout ou partie de ces risques pourrait conduire à ce que les résultats réels, conditions financières, performances ou réalisations de Theranexus diffèrent significativement des résultats, conditions financières, performances ou réalisations exprimés dans ces déclarations prospectives. Theranexus décline toute responsabilité quant à la mise à jour de ces déclarations prospectives.